

各位

MediciNova, Inc.  
代表取締役社長兼 CEO  
岩城 裕一  
コード番号 : 4875 東証 Jasdaq  
問合わせ先 : 東京事務所代表 副社長  
岡島 正恒  
電話番号 : 03-3519-5010  
E-mail : [info@medicinova.com](mailto:info@medicinova.com)

### Genzyme 社から遺伝子治療プログラムに関するマイルストーン受領のお知らせ

2014年1月13日 米国 ラ・ホイヤ発 - メディシノバ (MediciNova, Inc.) (米国カリフォルニア州 ラ・ホイヤ、代表取締役社長兼 CEO:岩城裕一)は、かねてより遺伝子治療の技術を Genzyme 社 (Sanofi-Aventis 社) に導出しておりましたが、アメリカで行われているヒトパーキンソン病を対象とした遺伝子治療治験において進捗が認められたため、Genzyme 社からマイルストーンとして6百万ドル (約6.3億円) を1月10日に受領いたしましたのでお知らせいたします。

当社が Genzyme 社に導出した遺伝子治療の技術は、Vector (ベクター) として AAV (Adeno-Associated Virus, アデノ随伴ウイルス) を利用して、必要な遺伝子を AAV に組み入れて治療するという遺伝子治療の基盤技術です。

上記マイルストーン受領により、6百万ドル (約6.3億円) を営業収益に計上予定であります。当該営業収益の計上は2014年12月期となることから、前期 (2013年12月期) の当社業績に与える影響はございません。

2014年12月期当社業績に与える影響については、2014年3月28日に予定している2014年12月期業績予想公表時に織り込んで公表いたします。

#### Parkinson 病について

パーキンソン病財団によれば、米国内のパーキンソン病患者は100万人に上るといわれています。また、国立神経疾患・脳卒中研究所 (NINDS) は、パーキンソン病を、ドーパミンを生成する脳細胞の欠損を原因とする運動系疾患の一種と位置付けています。主な症状は手、腕、足、顎または顔などの震え、手足及び胴の硬直 (筋固縮)、動作緩慢、体のバランスまたは協調が悪くなる姿勢障害の四つです。これらの症状が顕著になると、歩行やおしゃべり、その他単純な仕事にも支障が生じます。このほかにも、鬱などの情動変化、嚥下、咀嚼、発話などの障害、排尿障害、便秘、皮膚疾患及び睡眠障害などが見られます。パーキンソン病は進行性の慢性疾患で、現在のところ有効な治療法はありません。

#### AAV (Adeno-Associated Virus, アデノ随伴ウイルス) について

AAV は自己の核内に遺伝子を組み入れることができます。このようにして、正常な遺伝子が組み込まれた AAV は、遺伝子が欠損していたり、あるいは遺伝子に欠陥があることで正常なたんぱく質を合成することができない組織、細胞に対して、正常な遺伝子を効率的に届ける役割を担います。このようにして組み込まれた遺伝子から正常なたんぱく質が合成されます。その上、AAV は、遺伝子を安全に、しかも容易に患者さんの細胞に届けることができるため、近年この方法を利用して多くの病気を治療できる可能性が示唆されています。

以上

## メディシノバについて

メディシノバ (Medicinova, Inc.) は、日本内外の国際的製薬企業との提携により有望な低分子化合物を導入し、様々な疾患領域の新規医薬品の開発を主として米国で行う公開製薬企業です。弊社のパイプラインには、喘息急性発作、COPD (慢性閉塞性肺疾患)、多発性硬化症を初めとする神経疾患、神経因性疼痛、薬物依存、喘息、間質性膀胱炎、固形癌、全般性不安障害、切迫早産、尿失禁など、多様な疾患の治療を目的とする6つの臨床段階の化合物と、血栓症治療を目的とする2つの前臨床段階の化合物が揃っております。メディシノバは、当面その戦略として、喘息急性発作及びCOPDの治療薬MN-221と多発性硬化症及びその他の中枢神経系疾患治療薬MN-166との2つの優先的開発化合物に資源を集中して開発を進めていく予定です。MN-166は現在、複数の適応について開発中ですが、その多くが、治験責任医師または公的機関から資金を受けて行われています。当社は、MN-221及びMN-166のプログラムをサポートする資金提携または戦略的提携関係を目指してディスカッションを進めています。また、その他のプログラムにつきましても、現金化を目指しております。弊社詳細につきましては<http://www.medicinova.jp>をご覧ください。メディシノバの所在地はアメリカ合衆国カリフォルニア州ラ・ホイヤ、スイート650、エグゼクティブ・スクエア4275 (電話 1-858-373-1500) です。

このプレスリリースには、1995年米国民事証券訴訟改革法 (The Private Securities Litigation Reform Act of 1995) に規定される意味での「将来の見通しに関する記述」が含まれている可能性があります。これらの記述には、製品候補の治療法としての新規性および効能を実証する臨床試験に関する記述、既存または将来の臨床試験の計画や目的および製品開発に関する計画または目的に関する記述などが含まれます。このような記述には、臨床試験の結果、現段階の臨床試験の結果が必ずしもその後の製品開発の行方を確定するものではないこと、将来の臨床試験のタイミング、費用、計画など、臨床試験、製品開発および商品化に付随するリスクや不確定要素、FDAに対して書類を提出するタイミング、当社の戦略の失敗、第三者との提携構築、アヴィジェンとの合併により、イブジラストに関する開発プログラムを統合することにより期待される戦略的、財務的メリットを実現する可能性、イブジラストに関する開発プログラムを進めるための戦略的提携交渉、または、資金調達の可能性、知的財産権や契約上の権利を初めとして、当社が米国証券取引委員会に提出した届出書に記載されているものも含めたその他のリスクや不確定要素など、その多くは当社のコントロールが及ばないいくつかの前提、リスク、不確定要素の影響を受けるものであります。したがって、「将来の見通しに関する記述」はその時点における当社の状況を述べているにとどまり、実際の結果または成り行きは、必ずしも予想通りにはならない可能性があることにご留意下さい。また当社には、この記述に関して、情報の修正または更新を行う義務はありません。